



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/23299/2023
EMA/H/C/004827

Hemgenix (*etranacogenum dezaparvovecum*)

Přehled pro přípravek Hemgenix a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Hemgenix a k čemu se používá?

Hemgenix je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých s těžkou až středně těžkou hemofilií B, což je dědičná porucha krvácivosti způsobená nedostatkem faktoru IX (bílkoviny nezbytné pro tvorbu krevních sraženin k zastavení krvácení). Používá se u dospělých, u kterých nedošlo k rozvoji inhibitorů (bílkovin vytvořených přirozeným obranným systémem těla) proti faktoru IX.

Hemofilie B je vzácné onemocnění a přípravek Hemgenix byl označen dne 21. března 2018 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-18-1999>.

Přípravek Hemgenix obsahuje léčivou látku etranakogen dezaparvovek a je to druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

Jak se přípravek Hemgenix používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba musí být zahájena pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou hemofilie a/nebo poruch krvácení, a to v zařízení vybaveném k okamžitému zásahu v případě reakcí spojených s infuzí.

Přípravek Hemgenix se podává jednou, a to ve formě jednorázové infuze (kapání) do žíly po dobu jedné až dvou hodin. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta.

Před podáním infuze bude u pacienta provedeno několik testů, včetně testů ke kontrole stavu jater a zjištění, zda má inhibitory faktoru IX. Vzhledem k tomu, že účinky přípravku Hemgenix se projeví až po několika týdnech, pacienti budou pečlivě sledováni po dobu alespoň 3 měsíců po infuzi, aby se rozhodlo, zda je nutná další léčba ve formě substituční léčby faktorem IX.

Více informací o používání přípravku Hemgenix naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Hemgenix působí?

Pacienti s hemofilií B vykazují mutace (změny) v genu, který tělo potřebuje k tvorbě bílkoviny zvané faktor IX, která se podílí na srážení krve, což vede buď k částečnému, nebo úplnému omezení jeho aktivity.

Léčivá látka v přípravku Hemgenix, etranakogen dezaparvovek, je založena na viru, který obsahuje kopie genu zodpovědného za tvorbu faktoru IX. Při podání pacientovi přenese virus gen pro faktor IX do jaterních buněk, což jim umožní vytvářet chybějící faktor IX a omezit tak epizody (příhody) krvácení.

Typ viru používaný v tomto přípravku (adeno-asociovaný virus) u lidí nevyvolává onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Hemgenix byly prokázány v průběhu studií?

Ve studii, do které bylo zařazeno 54 dospělých pacientů mužského pohlaví s těžkou až středně těžkou hemofilií B, bylo zjištěno, že přípravek Hemgenix je při snižování výskytu krvácivých příhod účinnější než substituční léčba faktorem IX. Studie porovnávala počet krvácivých příhod, které pacienti prodělali v souvislosti se substituční léčbou faktorem IX během 6 měsíců před podáním přípravku Hemgenix, s počtem krvácivých příhod zaznamenaných během 1 roku po dosažení stabilní hladiny faktoru IX při podání přípravku Hemgenix. Z údajů ze studie vyplynulo, že přípravek Hemgenix snižuje roční míru krvácení ze 4,2 krvácení za rok na 1,5 krvácení za rok. Ze studie rovněž vyplynulo, že přípravek Hemgenix je účinný při zvyšování hladiny faktoru IX, přičemž 96 % (52 z 54) pacientů již po dobu až 2 let po infuzi nepotřebovalo substituční léčbu faktorem IX.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Hemgenix?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Hemgenix (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, zvýšení hladiny určitých jaterních enzymů a příznaky podobné chřipce.

Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Hemgenix je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Hemgenix se nesmí podávat osobám s přecitlivělostí (alergií) na kteroukoli složku tohoto přípravku, osobám s aktivní nebo chronickou (dlouhodobou) infekcí, která není kontrolována léčivými přípravky, ani osobám s pokročilou jaterní fibrózou nebo cirhózou (zjizvením jater).

Na základě čeho byl přípravek Hemgenix registrován v EU?

V době schválení bylo u pacientů s těžkou až středně těžkou hemofilií B nutné zajistit celoživotní léčbu ve formě substituční léčby faktorem IX. Přípravek Hemgenix podávaný ve formě jednorázové infuze byl účinný v rámci prevence krvácení po dobu nejméně 2 let, což umožnilo pacientům ukončit léčbu ve formě substituční léčby faktorem IX, což snižuje zátěž v důsledku léčby tohoto onemocnění. Vzhledem k tomu, že hlavní studie hodnotila odpověď u malého počtu pacientů po dobu až 2 let, panuje určitá nejistota ohledně toho, jak dlouho přínosy přípravku Hemgenix přetrvávají. Přestože údaje o dlouhodobé bezpečnosti byly omezené, bezpečnostní profil byl považován za přijatelný.

Přípravku Hemgenix byla udělena „podmíněná registrace“. Znamená to, že Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Hemgenix převyšují jeho rizika, společnost však bude muset po udělení registrace předložit další poznatky.

Podmíněná registrace se uděluje na základě méně komplexních údajů, než je obvykle požadováno. Uděluje se léčivým přípravkům, které splňují nenaplněnou léčebnou potřebu u závažných onemocnění, a pokud přínosy toho, že jsou k dispozici dříve, převyšují veškerá rizika spojená s jejich používáním, zatímco se očekávají další poznatky. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí

jakékoli nové informace, dokud údaje nebudou komplexní, a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Hemgenix nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Hemgenix byla udělena podmíněná registrace, společnost, která přípravek dodává na trh, předloží další údaje z probíhajících studií týkající se dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti tohoto přípravku, včetně toho, jak dlouho odpověď přetrvává, u pacientů s těžkou až středně těžkou hemofilií B. Společnost také předloží údaje z registru pacientů léčených přípravkem Hemgenix, aby bylo možné posoudit jeho dlouhodobou bezpečnost a účinnost.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Hemgenix?

Společnost, která přípravek Hemgenix dodává na trh, poskytne edukační materiály pro pacienty nebo pro osoby, které je ošetřují, a zdravotnické pracovníky s informacemi o přínosech, rizicích a nejistotách týkajících se dlouhodobých účinků a bezpečnosti tohoto přípravku. Pacienti musí rovněž obdržet kartu pacienta s informacemi pro zdravotnické pracovníky o tom, že jsou léčeni přípravkem Hemgenix.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Hemgenix, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Hemgenix průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Hemgenix jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Hemgenix

Další informace o přípravku Hemgenix jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hemigenix